



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 czerwca 2025 r.
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Wynik oceny stosowania leku Revolade w leczeniu ciężkiej niedokrwistości aplastycznej u dzieci

Europejska Agencja Leków zakończyła rozpatrywanie wniosku o rozszerzenie stosowania leku Revolade na dzieci z ciężką niedokrwistością aplastyczną (SAA). Choć EMA nie zaleciła takiego zastosowania, wyraziła zgodę, aby stosowne dane z badania przedłożone wraz z wnioskiem zostały uwzględnione w treści druków informacyjnych leku, tak aby personel medyczny miał dostęp do aktualnych danych dotyczących działania leku Revolade u osób z SAA.

Czym jest lek Revolade i w jakim celu się go stosuje

Revolade to lek stosowany w leczeniu:

- pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP) — choroby, w której własny układ odpornościowy chorego niszczy płytki krwi (składniki krwi odpowiedzialne za krzepnięcie). Pacjenci z ITP mają niską liczbę płytek krwi (małopłytkowość) i są obciążeni ryzykiem krwawienia. Lek Revolade stosuje się u pacjentów od 1. roku życia, u których leczenie za pomocą takich leków, jak kortykosteroidy czy immunoglobuliny, okazało się nieskuteczne. U dzieci i nastolatków lek stosuje się po co najmniej 6 miesiącach od pojawienia się choroby;
- małopłytkowości osób dorosłych z przewlekłym (długotrwałym) zapaleniem wątroby typu C — chorobą wątroby wywołaną przez wirusa zapalenia wątroby typu C. Lek Revolade stosuje się, gdy małopłytkowość jest zbyt ciężka, aby można było zastosować interferon (rodzaj terapii stosowanej w zapaleniu wątroby typu C);
- nabytej SAA (choroby, w której szpik kostny nie wytwarza wystarczającej liczby krwinek lub płytek krwi). Słowo „nabyta” oznacza, że choroba nie jest dziedziczna. Lek Revolade stosuje się u osób dorosłych, u których choroby nie można opanować za pomocą leczenia immunosupresyjnego (leków hamujących naturalne mechanizmy obronne organizmu) i którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych (czyli zastąpienia szpiku kostnego pacjenta komórkami macierzystymi od dawcy w celu wytworzenia nowego szpiku kostnego).

Lek Revolade jest dopuszczony do obrotu w UE od marca 2010 r. Substancją czynną zawartą w leku jest eltrombopag. Lek jest dostępny w postaci tabletek oraz proszku do sporządzania zawiesiny doustnej (płynu).

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Więcej informacji na temat obecnych wskazań do stosowania leku Revolade znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

O jaką zmianę wnioskowała firma?

Firma wnioskowała o rozszerzenie stosowania leku Revolade na dzieci z SAA w wieku od 2 lat, u których choroby nie można kontrolować za pomocą leczenia immunosupresyjnego lub choroba nawróciła po takim leczeniu i które nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych.

Jak działa lek Revolade

Wytwarzanie płytek krwi w organizmie jest stymulowane przez naturalny hormon o nazwie trombopoetyna, który przyłącza się do niektórych receptorów (celów) w szpiku kostnym i je aktywuje. Podobnie jak trombopoetyna, substancja czynna leku Revolade, eltrombopag, również przyłącza się do receptorów trombopoetyny i stymuluje te receptory. Pobudza to produkcję płytek krwi, zwiększa ich liczbę i ogranicza ryzyko krwawienia. U niektórych pacjentów z SAA lek Revolade może również zwiększać produkcję krwinek. Według oczekiwań u dzieci w wieku od 2 lat z ciężką niedokrwistością aplastyczną lek Revolade powinien działać tak samo, jak u osób dorosłych z tą samą chorobą.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki trwającego badania głównego z udziałem 51 dzieci w wieku od 2 lat z SAA, które nie kwalifikowały się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych. W badaniu tym 37 dzieci nie otrzymywało wcześniej leczenia, a 14 otrzymywało leczenie immunosupresyjne, ale ich choroba nie została opanowana lub nawróciła. Wszystkie dzieci otrzymywały lek Revolade w skojarzeniu z terapią immunosupresyjną przez 26 tygodni. Leku nie porównywano z żadnym innym leczeniem ani z placebo (leczeniem pozorowanym). Głównym celem badania była ocena działania leku Revolade u dzieci. Cele drugorzędne obejmowały ocenę bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leku.

Jakie były wnioski EMA?

EMA zauważyła, że chociaż wyniki badania przedstawione przez wnioskodawcę sugerują, że dzieci z SAA mogą odnieść korzyści z przyjmowania leku Revolade, to tylko 14 uczestników badania odpowiadało zamierzonemu zastosowaniu. Liczbę tę oceniono jako zbyt małą, aby wyciągnąć jednoznaczne wnioski na temat skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku Revolade u tych dzieci.

W związku z tym EMA uznała, że bezpieczeństwo i skuteczność leku Revolade u dzieci z SAA nie zostały w wystarczającym stopniu dowiedzione i że lek nie powinien zostać dopuszczony do stosowania u tych pacjentów. Niemniej jednak druki informacyjne leku Revolade zostaną uzupełnione o stosowne dane, tak aby personel medyczny miał dostęp do aktualnych informacji na temat działania leku Revolade u dzieci z SAA.

Jakie są skutki tej decyzji dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy?

Firma poinformowała Agencję, że badanie leku Revolade u dzieci z SAA zostało niedawno zakończone i że nie są obecnie prowadzone żadne inne badania w tej populacji.